



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/765820/2016  
EMEA/H/C/002720

## Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

---

# Translarna

## Ataluren

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Translarna. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Translarna zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Translarna benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

### Was ist Translarna und wofür wird es angewendet?

Translarna ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie bei gefährigten Patienten ab einem Alter von fünf Jahren angewendet wird. Die Duchenne-Muskeldystrophie ist eine genetische Erkrankung, die schrittweise zu Schwäche und Verlust der Muskelfunktion führt. Translarna wird in der kleinen Gruppe von Patienten angewendet, deren Erkrankung auf einen spezifischen Gendefekt (die sogenannte „Nonsense-Mutation“) im Dystrophin-Gen zurückzuführen ist.

Da es nur wenige Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie gibt, gilt die Krankheit als selten, und Translarna wurde am 27. Mai 2005 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Translarna enthält den Wirkstoff Ataluren.

### Wie wird Translarna angewendet?

Translarna ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte durch einen Facharzt eingeleitet werden, der Erfahrung mit der Behandlung der Duchenne/Becker-Muskeldystrophie hat.

Vor Beginn der Behandlung mit Translarna wird bei den Patienten ein genetischer Test durchgeführt, um zu bestätigen, dass ihre Erkrankung auf eine Nonsense-Mutation zurückzuführen ist und sie daher für eine Behandlung mit Translarna infrage kommen.

---

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom  
**Telephone** +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555  
**Send a question via our website** [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Translarna ist als Granulat (125 mg, 250 mg und 1 000 mg) erhältlich, das nach Mischen mit einer Flüssigkeit oder mit halbester Nahrung (wie etwa Joghurt) einzunehmen ist. Translarna wird dreimal täglich eingenommen. Die empfohlene Dosis beträgt 10 mg/kg (10 mg pro Kilogramm Körpergewicht) morgens, 10 mg/kg mittags und 20 mg/kg abends (sodass eine tägliche Gesamtdosis von 40 mg/kg erreicht wird). Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

## **Wie wirkt Translarna?**

Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie mangelt es an normalem Dystrophin, einem Protein in den Muskeln. Da dieses Protein dabei hilft, die Muskeln beim Kontrahieren und Entspannen vor Verletzungen zu schützen, erleiden die Muskeln bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie Schädigungen und funktionieren schließlich nicht mehr.

Duchenne-Muskeldystrophie kann durch eine Reihe genetischer Anomalien verursacht werden. Translarna ist zur Anwendung bei Patienten bestimmt, deren Erkrankung auf das Vorliegen eines bestimmten Defekts (der sogenannten „Nonsense-Mutation“) im Dystrophin-Gen zurückzuführen ist. Dieser Defekt stoppt die Bildung eines normalen Dystrophin-Proteins vorzeitig, was zu einem verkürzten Dystrophin-Protein führt, das nicht richtig funktioniert. Translarna wirkt bei diesen Patienten, indem es den proteinbildenden Apparat in Zellen befähigt, sich über den Defekt hinwegzusetzen und so funktionierende Dystrophin-Proteine zu bilden.

## **Welchen Nutzen hat Translarna in den Studien gezeigt?**

Translarna wurde zunächst in einer Hauptstudie untersucht, an der 174 gehfähige Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie teilnahmen. In dieser Studie wurden zwei Dosen von Translarna (40 mg/kg täglich und 80 mg/kg täglich) mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Entfernung, die ein Patient nach 48 Wochen Behandlung in sechs Minuten zurücklegen konnte.

Obwohl die anfänglichen Analysen der Ergebnisse aller Daten aus der Studie keine signifikante Veränderung der Entfernung zeigten, welche die Patienten in den Translarna-Gruppen und in der Placebo-Gruppe zurücklegen konnten, wiesen weitere Analysen darauf hin, dass sich die Gehfähigkeit unter täglich 40 mg/kg Translarna weniger stark verschlechterte als unter Placebo: nach 48 Wochen Behandlung konnten Patienten, die täglich 40 mg/kg Translarna erhalten hatten, durchschnittlich 31,7 Meter weiter gehen als jene unter Placebo. Eine deutlichere Wirkung wurde in einer Patientenuntergruppe festgestellt, deren Gehfähigkeit sich verschlechterte; hier konnten Patienten, die täglich 40 mg/kg Translarna erhalten hatten, durchschnittlich 49,9 Meter weiter gehen als jene unter Placebo. Der Nutzen der niedrigeren Dosis wurde auch durch Verbesserungen bei anderen Indikatoren für die Wirksamkeit unterstützt, einschließlich jener, die direkt mit den Alltagsaktivitäten der Patienten in Zusammenhang standen. Bei der höheren Dosis (80 mg/kg/Tag) wurden keine Verbesserungen beobachtet.

Eine weitere Studie mit 230 Patienten mit sich verschlechternder Gehfähigkeit wurde nach anfänglicher Genehmigung abgeschlossen; die Ergebnisse dieser Studie waren jedoch nicht eindeutig. Die Daten wiesen jedoch darauf hin, dass Translarna eine günstige Wirkung auf verschiedene Indikatoren hatte, wie etwa die Zeit, die benötigt wird, um 10 Meter zu laufen/gehen, die Zeit, die benötigt wird, um vier Stufen hinauf- und hinabzusteigen, und die Zeit, bis die Gehfähigkeit verloren geht. In beiden Studien schienen die günstigen Wirkungen von Translarna bei Patienten mit mittlerer Verschlechterung ihrer Erkrankung deutlicher zu sein.

## **Welche Risiken sind mit Translarna verbunden?**

Sehr häufige Nebenwirkungen von Translarna (beobachtet bei mehr als 5 von 100 Personen) sind Erbrechen, Durchfall, Übelkeit, Kopfschmerzen, Bauchschmerzen und Blähungen. Der Schweregrad dieser Nebenwirkungen ist in der Regel leicht bis mittelschwer.

Translarna darf nicht gleichzeitig mit bestimmten Antibiotika, sogenannten Aminoglykosiden, angewendet werden, wenn diese in eine Vene injiziert werden.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Translarna berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## **Warum wurde Translarna zugelassen?**

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Translarna gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

Obwohl weitere Daten erforderlich sind, war der CHMP der Auffassung, dass Nachweise vorliegen, die auf eine Verlangsamung des Fortschreitens der Erkrankung durch Translarna hinweisen, und dass das Sicherheitsprofil keine ernsten Bedenken aufwirft. Der Ausschuss erkannte zudem die Schwere von Duchenne-Muskeldystrophie und das Bestehen eines ungedeckten medizinischen Bedarfs bei Patienten mit dieser Erkrankung an.

Translarna wurde „unter Auflagen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass weitere Nachweise für das Arzneimittel erwartet werden, die das Unternehmen bereitstellen muss. Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Zusammenfassung wird gegebenenfalls aktualisiert.

## **Welche Informationen werden für Translarna noch erwartet?**

Translarna ist weiterhin unter Auflagen zugelassen, und das Unternehmen, das Translarna in Verkehr bringt, muss eine neue Studie durchführen, in der Translarna mit Placebo verglichen wird, um seine Wirksamkeit und Sicherheit zu bestätigen.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Translarna ergriffen?**

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Translarna, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

## **Weitere Informationen über Translarna**

Am 31. Juli 2014 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Translarna in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Translarna finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Translarna benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Translarna finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 12-2016 aktualisiert.